

北海道大学病院 がん遺伝子診断部が中心となり、BRAF 遺伝子変異をもつ小児がんの臨床試験実施のため、1,000 万円を目標にクラウドファンディングを開始 ～患者さんが早期に、安全かつ効果的な治療を受けることができる医療の実現に向けて～

【ポイント】

北海道大学病院（所在地：北海道札幌市、病院長：渥美達也、以下「北大病院」）は、クラウドファンディングサービス「READYFOR」にて、BRAF V600 遺伝子変異をもつ小児がんの患者さんへ、現時点では小児に対して適応外の抗がん剤（分子標的薬）、ダブラフェニブとトラメチニブによる治療の臨床試験に向けて、薬剤の輸入費用、および今後の研究継続における多施設化に必要な費用の確保に向けて、「小児がん患者に治療を。BRAF 遺伝子変異をもつ小児がんの臨床試験へ」を公開しました。1,000 万円を目標に、本日 2023 年 9 月 4 日（月）から 10 月 31 日（火）まで寄附を募ります。

（プロジェクト URL：<https://readyfor.jp/projects/B-AMBITIOUS>）



The screenshot shows the ReadyFor crowdfunding page for the project "小児がん患者に治療を。BRAF遺伝子変異をもつ小児がんの臨床試験へ" (Treatment for pediatric cancer patients. Clinical trial for pediatric cancer with BRAF gene mutation). The page features a header with the ReadyFor logo and a search bar. Below the header, there are social media tags and a navigation bar. The main content area includes a large image showing medical professionals and a child, with the text "小児がん治療の未来へ 分子標的薬による治療・研究を進めるために" (Towards the future of pediatric cancer treatment: Advancing treatment and research with targeted therapy). The right side of the page displays the project details: "寄付総額 0円" (Total amount donated: 0 yen), "目標金額 10,000,000円" (Target amount: 10,000,000 yen), "寄付者 残り 0人 57日" (Donors: 0 remaining, 57 days), and a "プロジェクトの寄付にすむ" (Contribute to the project) button. There is also a "コピー" (Copy) button for the project URL.

【概要】

がん治療において遺伝子情報を活用する「がんゲノム医療」が進展し、特定の遺伝子異常に対しては分子標的薬の治療効果が期待できるようになりました。しかし、難治性の小児がんの患者さんの中には、新たな治療の可能性を期待してパネル検査を行うも、実際には使用できる承認薬が見つからない状況、治験や臨床研究もほとんど行われていない状況であり、分子標的薬による治療にたどり着くことが難しい現状があります。

そこで、現時点では小児に対して適応外の抗がん剤（分子標的薬）、ダブラフェニブとトラメチニブによる治療の臨床試験を、患者申出療養制度によって実施します。これは北海道大学のがん遺伝子診断部、小児科、脳神経外科、腫瘍内科、薬剤部が一体となり、BRAF V600 遺伝子変異をもつ

小児がんの患者さんを対象とする臨床試験です。

本試験は海外とのドラッグラグを埋める役割も担っており、私たちが目指している「患者さんが早期に、安全かつ効果的な治療を受けることができる医療」の実現へ、小児がん患者さんとそのご家族に寄り添うことに賛同していただける方々のご寄附が不可欠です。ぜひ、小児がん患者さんの未来へ希望を届けるお手伝いをしていただけると幸いです。

【クラウドファンディングプロジェクト概要】

- ・タイトル「小児がん患者に治療を。BRAF 遺伝子変異をもつ小児がんの臨床試験へ」
- ・URL：<https://readyfor.jp/projects/B-AMBITIOUS>
- ・目標金額：1,000 万円
- ・募集期間：2023 年 9 月 4 日(月) 9:00～10 月 31 日(火) 23:00 57 日間
- ・資金使途：以下の 2 点にかかる費用を募ります。
 - ① 患者さん・ご家族の研究にかかる費用負担
本研究では、薬剤費は製薬企業のご厚意で無償提供いただいているものの、薬剤の輸入費用（小児用剤型は国内未承認）や臨床試験に係る諸費用の一部、北海道への交通費や滞在費はご家族の負担となってしまいます。特に薬剤輸入費用の確保を目指しています。
 - ② 日本国内・複数の病院における実施
患者さんの通院・滞在負担の軽減のため、日本国内・複数の病院での実施を計画しています。一方、多施設で安全に実施するためには、データマネジメント、モニタリング等の委託費用や、事務的な費用が必要です。
- ・形式：寄附金控除型 / All or Nothing 形式
※All or Nothing 形式は、期間内に集まった寄附総額が目標金額に到達した場合にのみ、実行者が寄附金を受け取れる仕組みです。なお、期間内に目標金額を達成できた場合には、第二目標金額として 2,550 万円を掲げ、最終日までご寄附を募ります。
- ・リターン：3,000 円～1,000,000 円まで計 14 コース。
「お礼のメール」「研究報告書」「銘板の掲出（北大フロンティア基金への寄附累計 20 万円達成時）」など

【北海道大学病院とは】

北海道大学病院は、北海道大学医学部・歯学部附属の教育・研究施設として、医科・歯科の高度・良質な統合的医療に基づく全人的医療の提供ならびに全人教育を実践する道内唯一の医療施設です。広大で緑豊かな北海道大学キャンパスの中で、100 年にわたって北海道・札幌の医療を実践してきました。2021 年度の診療科再編に伴い、当院を構成するのは医科 32 科、歯科 12 科の診療科となり、922 病床数を有する、本邦でも屈指の規模の医療機関のひとつです。本院は、札幌市に位置する医療機関として、かつ北海道大学という教育・研究機関の主要な一員として、良質な医療を提供すると共に、優れた医療人を育成し、先進的な医療の開発と提供を通じて社会に貢献することを理念として掲げています。そして、「患者本位で安心・安全な医療の提供」「人間性豊かで自律した医療人の育成」「先進的かつ高度な医療の開発と提供」「未来を見据えた地域医療・地域社会への貢献」の 4 つを基本方針として社会貢献することを全職員が常にこころがけています。

【用語解説】

- ・がんゲノム医療：がん細胞の遺伝子を調べて、遺伝子情報（ゲノム）に基づいて行うがんの個別化治療。
- ・ BRAF 遺伝子：細胞の増殖に関わるがん遺伝子のひとつ。
- ・ BRAF V600 変異：BRAF 遺伝子からできた BRAF タンパク質の 600 番目のアミノ酸のバリンから別のアミノ酸に変わる変異。がんの原因の一つで、様々ながんでみられる。BRAF 阻害薬と MEK 阻害薬の併用治療が有効であることが肺癌、悪性黒色腫など複数の固形がんで証明されている。米国では、6 歳以上の BRAF V600E 変異を持つすべての固形がんと、1 歳以上の脳腫瘍の一部（低悪性度神経膠腫）に、同併用療法が承認された。

お問い合わせ先

本プロジェクト内容に関するお問い合わせは、
北海道大学病院 腫瘍内科まで直接ご連絡ください。

E メール：syunaihisyo@med.hokudai.ac.jp TEL：011-706-5551

配信元

北海道大学病院総務課総務係（〒060-8648 札幌市北区北 14 条西 5 丁目）

TEL：011-706-7631 FAX：011-706-7627 E メール：pr_office@huhp.hokudai.ac.jp